Réforme de l'accès dérogatoire

Contexte et changements liés à la réforme de 2021

Le Zoom DéfiScience

2022

Sommaire cliquable

Que trouver dans ce document ?

Qu'est-ce que l'accès dérogatoire et la réforme de 2021 ?

L'accès compassionnel
- Cadre de Prescription Compassionnelle
- Autorisation d'Accès Compassionnel

L'accès précoce
- Pré-AMM
- Post-AMM

L'accès dérogatoire

L'accès dérogatoire, c'est quoi ?

En France, depuis plus de 20 ans, un **patient en situation d'impasse thérapeutique peut bénéficier d'un médicament non autorisé dans l'indication concernée.**

C'est le cas de nombreux patients atteints de maladies rares.

Conditions de l'accès dérogatoire

- Maladie grave, rare ou invalidante
- Absence de traitement approprié
- Traitement ne pouvant être différé
- Efficacité et sécurité du médicament fortement présumées

Pourquoi une réforme de l'accès dérogatoire ?

- Pour simplifier les procédures
- Pour accélérer les délais d'accès au traitement pour les patients
- Pour approfondir les connaissances scientifiques par le renforcement du recueil des données cliniques en impliquant les patients

La réforme de l'accès dérogatoire

A partir du 1er juillet 2021, **2 régimes d'autorisation pour un accès dérogatoire** viennent remplacer les 6 existants : l'accès compassionnel et l'accès précoce.

	Accès compassionnel	Accès précoce
Nouveau régime		
Remplace	*ATU nominatives et RTU*	*ATUc, ATUei, post-ATU, PECT*
Médicaments ciblés	• Pour les **médicaments non destinés à être commercialisés en France dans l'indication concernée** • **Absence de développement** en cours/prévu • Pas de démarche en vue d'une AMM	• Pour **les médicaments destinés à être commercialisés dans l'indication concernée** • Médicaments présumés innovants • Données cliniques disponibles ou en cours de recueil
Qui peut demander un régime d'autorisation ?	Sur l'initiative de l'ANSM, à la demande de professionnels de santé, des ministres ou sur signalements.	Sur demande d'un laboratoire pharmaceutique.
Processus de décision	Évaluation de la demande et décision de l'ANSM *3 conclusions envisageables* Refus **CADRE DE PRESSCIPTION COMPASSIONNELLE** *(3 ans renouvelables)* **AUTORISATION D'ACCÉS COMPASSIONNEL** *(1 an renouvelable)*	*Avant demande AMM* / *Après obtention d'une AMM* Evaluation par l'ANSM Évaluation et décision de la HAS *(3 mois à partir de la demande complète, hors suspension et prorogation)* AUTORISATION D'ACCÈS PRÉCOCE *(1 an renouvelable)* ACCÈS NON DÉROGATOIRE, REMBOURSEMENT PÉRENNE *(droit commun)* Refus

Arrêt possible en fonction des nouvelles données disponibles

Défi Science
Maladies Rares du Neurodéveloppement
FILIÈRE NATIONALE DE SANTÉ

Zoom sur

L'accès compassionnel : à l'initiative des centres maladies rares

L'accès compassionnel remplace les RTU sous la forme de **Cadre de Prescription Compassionnelle (CPC)**, et les ATU nominative sous la forme **d'Autorisation d'Accès Compassionnel (AAC) et ouvre automatiquement le droit à une prise en charge et un remboursement** sur une période donnée.

	Cadre de Prescription Compassionnelle	Autorisation d'Accès Compassionnelle
Remplace	*RTU*	*ATU nominative*
Objectif	**Sécuriser** une pratique de prescription **non conforme à l'AMM d'une spécialité**	**Autoriser** la prescription de médicaments n'ayant **pas d'AMM en France**
Médicaments ciblés	Médicaments disponibles en France mais n'ayant **pas vocation à être commercialisés dans l'indication** par les laboratoires	Médicaments disponibles à l'étranger et n'ayant **pas vocation à être commercialisés en France** par les laboratoires (quelque soit l'indication)
Qui peut demander ce régime d'autorisation ?	ANSM ; ministères ; INCA ; conseils nationaux professionnels ; **centres de référence et compétences maladies rares**	Couple [Prescripteurs + Pharmacien hospitalier] via la plateforme site e-saturne
Durée de l'autorisation	**3 ans renouvelables** Demande faite pour **une population**	**1 an renouvelable** Demande faite pour **1 patient**
Suivi des patients	Protocoles d'utilisation thérapeutique (PUT) Recueil financé par le laboratoire Transmission des données et suivi des par les prescripteurs	Protocoles d'utilisation thérapeutique (PUT) Recueil financé par le laboratoire Transmission des données et suivi des par les prescripteurs

Circuit de validation du cadre de prescription compassionnelle

Le **Cadre de Prescription Compassionnelle (CPC)** est élaboré par l'ANSM afin de **permettre une prescription directe et remboursée d'une indication hors AMM** pour des **médicaments déjà disponibles sur le marché français**.

DEMANDEURS D'UN CPC

centre de référence maladies rares

centre de compétence maladies rares

Et / ou

Conseil nationaux professionnels

Et / ou

MINISTÈRE DES SOLIDARITÉS ET DE LA SANTÉ

Signalent une **pratique de prescription hors AMM** dans des situations de besoin non couvert pour certains patients.

Fournissent les **données pertinentes** appuyant la pratique.

EVALUATEUR

ansm

- Définit le Cadre de Prescription Compassionnelle pour une durée de 3 ans renouvelable :
  - Définition de l'indication et du cadre de prescription
  - Conditions d'utilisation
  - Conditions de remboursement
- Publication sur le site de l'ANSM au sein du [référentiel des spécialités en accès dérogatoires].

COMPLEMENT D'EXPERTISE

Optionnel : sur demande de l'ANSM

Fournit de la **documentation complémentaire** (AMM à l'étranger ; essais cliniques dans l'indication visée ; efficacité et données de sécurité ; estimation du nombre de patients, proposition de PUT)

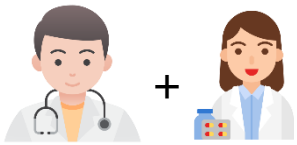
Laboratoire pharmaceutique

Le laboratoire exploitant au titre de l'AMM est également **en charge de l'exploitation du médicament dans le cadre du CPC**. De plus, il met en place et finance le suivi des patients tel qu'imposé par le PUT-SP le cas échéant.

Circuit de validation d'une autorisation d'accès compassionnel

L'Autorisation d'Accès Compassionnel (AAC) est une **autorisation nominative** donnée par l'ANSM pour prescrire un **médicament n'ayant pas d'AMM en France**, quelle que soit l'indication thérapeutique, **ou bien ayant fait l'objet d'un arrêt de commercialisation** et dont l'AMM initiale ne portait pas sur l'indication thérapeutique sollicitée.

DEMANDEURS D'UNE AAC



Demande émanant obligatoirement du Prescripteur + Pharmacien Hospitalier

Saisissent une demande d'autorisation de prescription via **e-saturne.**

Fournissent les **données pertinentes** appuyant la pratique.

- Assurent la surveillance étroite du patient traité, et le cas échéant, recueillent et transmettent les informations recueillies selon les modalités requises dans le PUT le cas échéant,
- Respectent les exigences de pharmacovigilance

EVALUATEUR

ansm

- Donne une Autorisation d'Accès Compassionnel nominative pour une durée de 1 an renouvelable :
  - Définition de l'indication et du cadre de prescription autorisé
  - Conditions d'utilisation
  - Conditions de remboursement
- Publication sur le site de l'ANSM au sein du [référentiel des spécialités en accès dérogatoires](). .

COMPLEMENT D'EXPERTISE

Optionnel : sur demande de l'ANSM

Répond sur le souhait de mettre le produit à disposition dans le cadre de l'AC
Fournit la documentation à l'ANSM
S'engage à déposer une demande d'Accès Précoce sous 12 mois (ou 18 mois si RIPH en cours)
Propose un PUT

Laboratoire pharmaceutique

La désignation d'un laboratoire exploitant un médicament en AAC **n'est pas obligatoire** mais vivement recommandée pour assurer le cas échéant l'importation/distribution, la pharmacovigilance, les réclamations qualité ou l'information médicale.

DéfiScience
Maladies Rares du Neurodéveloppement
FILIÈRE NATIONALE DE SANTÉ

Zoom sur

L'accès précoce : à l'initiative des laboratoires pharmaceutiques

L'accès précoce concerne des **médicaments innovants** et consiste à **les autoriser et à les financer à une phase précoce de leur développement** (pré-AMM) ou dans **l'attente de leur inscription au remboursement** (post-AMM), et ce jusqu'à ce qu'ils intègrent le régime de droit commun d'autorisation et de remboursement des produits de santé.

Nouveau régime	**Accès précoce**
Remplace	*ATUc, ATUei, post-ATU, PECT*
Médicaments ciblés	• Pour **les médicaments destinés à être commercialisés dans l'indication concernée** • Médicaments présumés innovants • Données cliniques disponibles ou en cours de recueil
Qui peut demander un régime d'autorisation ?	Sur demande d'un laboratoire pharmaceutique. *Avant demande d'une AMM (pré-AMM)* *Après obtention d'une AMM (post-AMM)*

- **Des délais courts pour chacune des étapes.**
- Réponse au laboratoire : 3 mois après la recevabilité du dossier.
- **Un recueil obligatoire de données observationnelles pour renforcer les connaissances sur le médicament utilisé et s'assurer de son intérêt pour les malades**.
- **Des critères d'éligibilité clairs pour plus de prévisibilité des décision.**
- **Un guichet unique**

via le portail SESAME, gage d'un enchaînement plus fluide entre les étapes et les dispositifs, pour une meilleure continuité de l'accès aux soins pour les patients

Circuit de validation de l'accès précoce pré-AMM

DEMANDEUR

Laboratoire pharmaceutique via Sésame

Demande de rendez-vous pré-dépôt (éligibilité de la demande)
Facultatif mais recommandé ANSM/HAS

→ Dépôt d'une demande d'Accès Précoce

EVALUATEURS

ansm

Emet un avis sur l'**Analyse bénéfice/risque**

HAS

Analyse 4 critères de recevabilité :

- Maladie grave rare ou invalidante
- Absence de traitement approprié
- Mise en œuvre du traitement non différable
- Présumé innovant (notamment au regard d'un éventuel comparateur cliniquement pertinent)

Avis défavorable ou sans réponse

Refus d'accès précoce

Avis favorable

Mise à disposition du médicament dans les 2 mois après autorisation Accès Précoce
Prise en charge automatique par l'assurance maladie

Soumission d'une demande d'AMM dans les 2 ans après autorisation AP

À l'obtention de l'AMM, soumission d'une demande d'accès au remboursement sous 1 mois

CALENDRIER

10 jours
Recevabilité administrative

Si incomplet +10 jours max pour compléter sinon demande réputée abandonnée

3 mois
Evaluation

+ 45 jours max :
- Incomplétude clinique
- Nouvelles données du laboratoire

3 mois + 1 jour
Avis

Défi Science
Maladies Rares du Neurodéveloppement
FILIÈRE NATIONALE DE SANTÉ

Circuit de validation de l'accès précoce post-AMM

DEMANDEUR

Laboratoire pharmaceutique via Sésame Dépôt d'une demande d'Accès Précoce

EVALUATEURS

ansm

Emet un avis sur l'**Analyse bénéfice/risque**

HAS

Analyse 4 critères de recevabilité :

- Maladie grave rare ou invalidante
- Absence de traitement approprié
- Mise en œuvre du traitement non différable
- Présumé innovant (notamment au regard d'un éventuel comparateur cliniquement pertinent)

Avis défavorable ou sans réponse

Refus d'accès précoce

Avis favorable

Mise à disposition du médicament dans les 2 mois après autorisation Accès Précoce
Prise en charge automatique par l'assurance maladie

Soumission d'une demande d'accès au remboursement sous 1 mois après AMM

CALENDRIER

10 jours
Recevabilité administrative

+10 jours max si incomplet pour compléter sinon demande réputée abandonnée

3 mois
Evaluation

+ 45 jours max :
- Incomplétude clinique
- Nouvelles données du laboratoire

3 mois + 1 jour
Avis

DéfiScience
Maladies Rares du Neurodéveloppement
FILIÈRE NATIONALE DE SANTÉ

Sources et liens utiles

Comprendre la réforme et les démarches de l'accès dérogatoire

- https://sante.gouv.fr/soins-et-maladies/medicaments/professionnels-de-sante/autorisation-de-mise-sur-le-marche/article/autorisation-d-acces-precoce-autorisation-d-acces-compassionnel-et-cadre-de
- https://www.has-sante.fr/jcms/p_3274374/fr/medicament-en-acces-precoce-ce-qu-il-faut-savoir
- https://ansm.sante.fr/qui-sommes-nous/nos-missions/faciliter-lacces-a-linnovation-therapeutique/p/encadrer-lacces-precoce-aux-produits-de-sante
- https://youtu.be/6E-35zFrtyk

Demande d'autorisation d'accès compassionnel :

- https://ansm.sante.fr/vos-demarches/professionel-de-sante/demande-dautorisation-dacces-compassionnel

Demande d'autorisation d'accès précoce :

- https://ansm.sante.fr/vos-demarches/industriel/demande-dautorisation-dacces-precoce

Contacts utiles

Cadre de prescription compassionnelle :
cpc@ansm.sante.fr

Autorisation d'accès compassionnel :
aac@ansm.sante.fr